

(12) NACH DEM VERTRAG ÜBER DIE INTERNATIONALE ZUSAMMENARBEIT AUF DEM GEBIET DES  
PATENTWESENS (PCT) VERÖFFENTLICHTE INTERNATIONALE ANMELDUNG

(19) Weltorganisation für geistiges Eigentum  
Internationales Büro



(43) Internationales Veröffentlichungsdatum  
8. Juli 2004 (08.07.2004)

PCT

(10) Internationale Veröffentlichungsnummer  
**WO 2004/056857 A3**

(51) Internationale Patentklassifikation<sup>7</sup>: **C07K 14/47**,  
C12N 15/11, A61K 38/17, G01N 33/50, A01K 67/027

(21) Internationales Aktenzeichen: PCT/EP2003/014762

(22) Internationales Anmeldedatum:  
19. Dezember 2003 (19.12.2003)

(25) Einreichungssprache: Deutsch

(26) Veröffentlichungssprache: Deutsch

(30) Angaben zur Priorität:  
102 61 650.7 20. Dezember 2002 (20.12.2002) DE

(71) Anmelder (für alle Bestimmungsstaaten mit Ausnahme  
von US): **ERNST-MORITZ-ARNDT-UNIVERSITÄT  
GREIFSWALD [DE/DE]**; Domstr. 11, 17487 Greifswald  
(DE).

(72) Erfinder; und

(75) Erfinder/Anmelder (nur für US): **KLÖTING, Ingrid**  
[DE/DE]; Am Sportplatz 9, 17495 Lühmannsdorf (DE).  
**KLÖTING, Nora** [DE/DE]; Am Sportplatz 14, 17495  
Lühmannsdorf (DE).

(74) Anwälte: **WEBER-QUITZAU, Martin** usw.; Uexküll &  
Stolberg, Beselerstr. 4, 22607 Hamburg (DE).

(81) Bestimmungsstaaten (*national*): AE, AG, AL, AM, AT,  
AU, AZ, BA, BB, BG, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CN,  
CO, CR, CU, CZ, DE, DK, DM, DZ, EC, EE, EG, ES, FI,  
GB, GD, GE, GH, GM, HR, HU, ID, IL, IN, IS, JP, KE,  
KG, KP, KR, KZ, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LV, MA, MD,  
MG, MK, MN, MW, MX, MZ, NI, NO, NZ, OM, PG, PH,  
PL, PT, RO, RU, SC, SD, SE, SG, SK, SL, SY, TJ, TM, TN,  
TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, YU, ZA, ZM, ZW.

(84) Bestimmungsstaaten (*regional*): ARIPO Patent (BW, GH,  
GM, KE, LS, MW, MZ, SD, SL, SZ, TZ, UG, ZM, ZW),  
eurasisches Patent (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ,  
TM), europäisches Patent (AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE,  
DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HU, IE, IT, LU, MC, NL,  
PT, RO, SE, SI, SK, TR), OAPI Patent (BF, BJ, CF, CG,  
CI, CM, GA, GN, GQ, GW, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

**Veröffentlicht:**

- mit internationalem Recherchenbericht
- vor Ablauf der für Änderungen der Ansprüche geltenden  
Frist; Veröffentlichung wird wiederholt, falls Änderungen  
eintreffen

(88) Veröffentlichungsdatum des internationalen  
Recherchenberichts: 28. Oktober 2004

Zur Erklärung der Zweibuchstaben-Codes und der anderen Ab-  
kürzungen wird auf die Erklärungen ("Guidance Notes on Co-  
des and Abbreviations") am Anfang jeder regulären Ausgabe der  
PCT-Gazette verwiesen.

(54) Title: USE OF THE MULTIFUNCTIONAL TRANSCRIPTION FACTOR YIN-YANG-1 AND VARIANTS THEREOF FOR  
TREATING ILLNESSES, ESPECIALLY TYPE 1 DIABETES

(54) Bezeichnung: VERWENDUNG DES MULTIFUNKTIONELLEN TRANSKRIPTIONSFAKTORS YIN-YANG-1 UND VA-  
RIANTEN DAVON ZUR BEHANDLUNG VON ERKRANKUNGEN, INSBESONDERE VON TYP-1 DIABETES

(57) Abstract: The invention relates to the influence of the activity and/or the expression of the multifunctional transcription factor  
Yin-Yang-1 (YY1), and of variants thereof, for the treatment of many different illnesses. The invention especially relates to a mutated  
nucleic acid sequence which codes for a variant of the human YY1 and has a protective action against diabetes, according to the  
invention.

(57) Zusammenfassung: Die vorliegende Erfindung betrifft die Beeinflussung der Aktivität und/oder der Expression des multi-  
funktionellen Transkriptionsfaktors Yin-Yang-1 (YY1) und Varianten davon zur Behandlung verschiedenster Erkrankungen. Die  
Erfindung betrifft insbesondere eine mutierte Nukleinsäuresequenz, die für eine Variante des humanen YY1 kodiert und der erfin-  
dungsgemäss eine diabetesprotektive Wirkung zugeschrieben wird.

WO 2004/056857 A3

# INTERNATIONAL SEARCH REPORT

National Application No  
**PCT/EP 03/14762**

**A. CLASSIFICATION OF SUBJECT MATTER**

**IPC 7 C07K14/47 C12N15/11 A61K38/17 G01N33/50 A01K67/027**

According to International Patent Classification (IPC) or to both national classification and IPC

**B. FIELDS SEARCHED**

Minimum documentation searched (classification system followed by classification symbols)

**IPC 7 C07K A61K**

Documentation searched other than minimum documentation to the extent that such documents are included in the fields searched

Electronic data base consulted during the International search (name of data base and, where practical, search terms used)

**EPO-Internal, Sequence Search, EMBASE, BIOSIS**

**C. DOCUMENTS CONSIDERED TO BE RELEVANT**

| Category * | Citation of document, with indication, where appropriate, of the relevant passages   | Relevant to claim No. |
|------------|--|-----------------------|
| X          | WO 93/04076 A (UNIV PRINCETON)<br>4 March 1993 (1993-03-04)<br>figure 11; sequences 1,2<br>page 39, line 22 - page 40, line 27;<br>figures 21-23<br>page 43, line 26 - line 34<br>claim 59   | 11,12                 |
| A          |  | 1-10,13               |
| X          | WO 98/33067 A (ROMERIO FABIO ; DEVICO<br>ANTHONY (US); MARGOLIS DAVID (US); UNIV<br>MARYLAN) 30 July 1998 (1998-07-30)<br>page 10, line 36 - line 37<br>figure 11<br>page 14, line 18 - page 15, line 25<br>page 21, line 14 - page 22, line 14<br>page 35, line 1 - page 38, line 12<br>page 66, line 19 - line 20. | 11,12                 |
| A          |  | 1-10,<br>16-21        |

☒ Further documents are listed in the continuation of box C.

☒ Patent family members are listed in annex.

\* Special categories of cited documents :

- "A" document defining the general state of the art which is not considered to be of particular relevance
- "E" earlier document but published on or after the international filing date
- "L" document which may throw doubts on priority claim(s) or which is cited to establish the publication date of another citation or other special reason (as specified)
- "O" document referring to an oral disclosure, use, exhibition or other means
- "P" document published prior to the international filing date but later than the priority date claimed

- "T" later document published after the international filing date or priority date and not in conflict with the application but cited to understand the principle or theory underlying the invention
- "X" document of particular relevance; the claimed invention cannot be considered novel or cannot be considered to involve an inventive step when the document is taken alone
- "Y" document of particular relevance; the claimed invention cannot be considered to involve an inventive step when the document is combined with one or more other such documents, such combination being obvious to a person skilled in the art.
- "&" document member of the same patent family

Date of the actual completion of the international search

**27 August 2004**

Date of mailing of the international search report

**07/09/2004**

Name and mailing address of the ISA  
European Patent Office, P.B. 5818 Patentlaan 2  
NL - 2280 HV Rijswijk  
Tel. (+31-70) 340-2040, Tx. 31 651 epo nl,  
Fax: (+31-70) 340-3016

Authorized officer

**Bayer, A**

# INTERNATIONAL SEARCH REPORT

International Application No  
PCT/EP 03/14762

## C.(Continuation) DOCUMENTS CONSIDERED TO BE RELEVANT

| Category * | Citation of document, with indication, where appropriate, of the relevant passages  | Relevant to claim No. |
|------------|---|-----------------------|
| A          | <p>KLÖTING I ET AL: "Genes of SHR rats protect spontaneously diabetic BB/OK rats from diabetes: lessons from congenic BB.SHR rat strains."<br/>           BIOCHEMICAL AND BIOPHYSICAL RESEARCH COMMUNICATIONS. 4 MAY 2001, vol. 283, no. 2, 4 May 2001 (2001-05-04), pages 399-405, XP002293254<br/>           ISSN: 0006-291X<br/>           cited in the application<br/>           das ganze Dokument, insbesondere die Diskussion</p> | 1-28                  |

**INTERNATIONAL SEARCH REPORT**

Information on patent family members

International Application No

PCT/EP 03/14762

| Patent document<br>cited in search report |   | Publication<br>date | Patent family<br>member(s) |            | Publication<br>date |
|---|---|---------------------|----------------------------|------------|---------------------|
| WO 9304076                                | A | 04-03-1993          | WO                         | 9304076 A1 | 04-03-1993          |
| WO 9833067                                | A | 30-07-1998          | AU                         | 6240098 A  | 18-08-1998          |
|   |   |                     | WO                         | 9833067 A1 | 30-07-1998          |

# INTERNATIONALER RECHERCHENBERICHT

nationales Aktenzeichen

PCT/EP 03/14762

## A. KLASIFIZIERUNG DES ANMELDUNGSGEGENSTANDES

IPK 7 C07K14/47 C12N15/11 A61K38/17 G01N33/50 A01K67/027

Nach der Internationalen Patentklassifikation (IPK) oder nach der nationalen Klassifikation und der IPK

## B. RECHERCHIERTE GEBIETE

Recherchierte Mindestprüfstoff (Klassifikationssystem und Klassifikationssymbole)

IPK 7 C07K A61K

Recherchierte aber nicht zum Mindestprüfstoff gehörende Veröffentlichungen, soweit diese unter die recherchierten Gebiete fallen

Während der Internationalen Recherche konsultierte elektronische Datenbank (Name der Datenbank und evtl. verwendete Suchbegriffe)

EPO-Internal, Sequence Search, EMBASE, BIOSIS

## C. ALS WESENTLICH ANGESEHENE UNTERLAGEN

| Kategorie* | Bezeichnung der Veröffentlichung, soweit erforderlich unter Angabe der in Betracht kommenden Teile   | Betr. Anspruch Nr. |
|------------|--|--------------------|
| X          | WO 93/04076 A (UNIV PRINCETON)<br>4. März 1993 (1993-03-04)<br>Abbildung 11; Sequenzen 1,2<br>Seite 39, Zeile 22 - Seite 40, Zeile 27;<br>Abbildungen 21-23<br>Seite 43, Zeile 26 - Zeile 34   | 11, 12             |
| A          | Anspruch 59  | 1-10, 13           |
| X          | WO 98/33067 A (ROMERIO FABIO ; DEVICO<br>ANTHONY (US); MARGOLIS DAVID (US); UNIV<br>MARYLAN) 30. Juli 1998 (1998-07-30)<br>Seite 10, Zeile 36 - Zeile 37<br>Abbildung 11<br>Seite 14, Zeile 18 - Seite 15, Zeile 25<br>Seite 21, Zeile 14 - Seite 22, Zeile 14<br>Seite 35, Zeile 1 - Seite 38, Zeile 12 | 11, 12             |
| A          | Seite 66, Zeile 19 - Zeile 20  | 1-10,<br>16-21     |



Weitere Veröffentlichungen sind der Fortsetzung von Feld C zu entnehmen



Siehe Anhang Patentfamilie

\* Besondere Kategorien von angegebenen Veröffentlichungen :

"A" Veröffentlichung, die den allgemeinen Stand der Technik definiert, aber nicht als besonders bedeutsam anzusehen ist

"E" älteres Dokument, das jedoch erst am oder nach dem internationalen Anmeldedatum veröffentlicht worden ist

"L" Veröffentlichung, die geeignet ist, einen Prioritätsanspruch zweifelhaft erscheinen zu lassen, oder durch die das Veröffentlichungsdatum einer anderen im Recherchenbericht genannten Veröffentlichung belegt werden soll oder die aus einem anderen besonderen Grund angegeben ist (wie ausgeführt)

"O" Veröffentlichung, die sich auf eine mündliche Offenbarung, eine Benutzung, eine Ausstellung oder andere Maßnahmen bezieht

"P" Veröffentlichung, die vor dem internationalen Anmeldedatum, aber nach dem beanspruchten Prioritätsdatum veröffentlicht worden ist

"T" Spätere Veröffentlichung, die nach dem internationalen Anmeldedatum oder dem Prioritätsdatum veröffentlicht worden ist und mit der Anmeldung nicht kollidiert, sondern nur zum Verständnis des der Erfindung zugrundeliegenden Prinzips oder der ihr zugrundeliegenden Theorie angegeben ist

"X" Veröffentlichung von besonderer Bedeutung; die beanspruchte Erfindung kann allein aufgrund dieser Veröffentlichung nicht als neu oder auf erfinderischer Tätigkeit beruhend betrachtet werden

"Y" Veröffentlichung von besonderer Bedeutung; die beanspruchte Erfindung kann nicht als auf erfinderischer Tätigkeit beruhend betrachtet werden, wenn die Veröffentlichung mit einer oder mehreren anderen Veröffentlichungen dieser Kategorie in Verbindung gebracht wird und diese Verbindung für einen Fachmann naheliegend ist

"Z" Veröffentlichung, die Mitglied derselben Patentfamilie ist

Datum des Abschlusses der Internationalen Recherche

27. August 2004

Absendedatum des Internationalen Recherchenberichts

07/09/2004

Name und Postanschrift der Internationalen Recherchenbehörde  
Europäisches Patentamt, P.B. 5818 Patentlaan 2  
NL - 2280 HV Rijswijk  
Tel. (+31-70) 340-2040, Tx. 31 651 epo nl,  
Fax: (+31-70) 340-3016

Bevollmächtigter Beauftragter

Bayer, A

# INTERNATIONALER RECHERCHENBERICHT

Internationales Aktenzeichen

PCT/EP 03/14762

## C.(Fortsetzung) ALS WESENTLICH ANGESEHENE UNTERLAGEN

| Kategorie* | Bezeichnung der Veröffentlichung, soweit erforderlich unter Angabe der in Betracht kommenden Teile  | Betr. Anspruch Nr. |
|------------|---|--------------------|
| A          | <p>KLÖTING I ET AL: "Genes of SHR rats protect spontaneously diabetic BB/OK rats from diabetes: lessons from congenic BB.SHR rat strains."</p> <p>BIOCHEMICAL AND BIOPHYSICAL RESEARCH COMMUNICATIONS. 4 MAY 2001, Bd. 283, Nr. 2, 4. Mai 2001 (2001-05-04), Seiten 399-405, XP002293254</p> <p>ISSN: 0006-291X</p> <p>in der Anmeldung erwähnt</p> <p>das ganze Dokument, insbesondere die Diskussion</p> <p>-----</p> | 1-28               |

**INTERNATIONALER RECHERCHENBERICHT**

Angaben zu Veröffentlichungen, die zur selben Patentfamilie gehören

nationales Aktenzeichen

**PCT/EP 03/14762**

| Im Recherchenbericht<br>angeführtes Patentdokument |   | Datum der<br>Veröffentlichung | Mitglied(er) der<br>Patentfamilie |            | Datum der<br>Veröffentlichung |
|--|---|-------------------------------|-----------------------------------|------------|-------------------------------|
| WO 9304076   | A | 04-03-1993                    | WO                                | 9304076 A1 | 04-03-1993                    |
| WO 9833067   | A | 30-07-1998                    | AU                                | 6240098 A  | 18-08-1998                    |
|  |   |                               | WO                                | 9833067 A1 | 30-07-1998                    |